

(12)特許協力条約に基づいて公開された国際出願

(19) 世界知的所有権機関  
国際事務局



(43) 国際公開日  
2005年4月7日 (07.04.2005)

PCT

(10) 国際公開番号  
WO 2005/030960 A1

(51) 国際特許分類<sup>7</sup>: C12N 15/11, A61K 48/00, 31/713, A61P 37/00, 17/00, 9/00, 13/10, 13/12, 13/08, 13/02, 1/04

[JP/JP]; 〒5650851 大阪府吹田市千里山西1-41-4 Osaka (JP).

(21) 国際出願番号: PCT/JP2004/014694

(74) 代理人: 古谷聰, 外(FURUYA, Satoshi et al.); 〒1030007 東京都中央区日本橋浜町2-17-8 浜町花長ビル6階 Tokyo (JP).

(22) 国際出願日: 2004年9月29日 (29.09.2004)

(81) 指定国(表示のない限り、全ての種類の国内保護が可能): AE, AG, AL, AM, AT, AU, AZ, BA, BB, BG, BR, BW, BY, BZ, CA, CH, CN, CO, CR, CU, CZ, DE, DK, DM, DZ, EC, EE, EG, ES, FI, GB, GD, GE, GH, GM, HR, HU, ID, IL, IN, IS, JP, KE, KG, KP, KR, KZ, LC, LK, LR, LS, LT, LU, LV, MA, MD, MG, MK, MN, MW, MX, MZ, NA, NI, NO, NZ, OM, PG, PH, PL, PT, RO, RU, SC, SD, SE, SG, SK, SL, SY, TJ, TM, TN, TR, TT, TZ, UA, UG, US, UZ, VC, VN, YU, ZA, ZM, ZW.

(25) 国際出願の言語: 日本語

(26) 国際公開の言語: 日本語

(30) 優先権データ:  
特願2003-341419 2003年9月30日 (30.09.2003) JP

(84) 指定国(表示のない限り、全ての種類の広域保護が可能): ARIPO (BW, GH, GM, KE, LS, MW, MZ, NA, SD, SL, SZ, TZ, UG, ZM, ZW), ユーラシア (AM, AZ, BY, KG, KZ, MD, RU, TJ, TM), ヨーロッパ (AT, BE, BG, CH, CY, CZ, DE, DK, EE, ES, FI, FR, GB, GR, HU, IE, IT, LU, MC, NL, PL, PT, RO, SE, SI, SK, TR), OAPI (BF, BJ, CF, CG, CI, CM, GA, GN, GQ, GW, ML, MR, NE, SN, TD, TG).

添付公開書類:  
— 国際調査報告書

2文字コード及び他の略語については、定期発行される各PCTガゼットの巻頭に掲載されている「コードと略語のガイドスノート」を参照。

(54) Title: STAPLE TYPE OLIGONUCLEOTIDE AND DRUG COMPRISING THE SAME

(54) 発明の名称: ステイプル型オリゴヌクレオチドおよびそれからなる医薬

(57) **Abstract:** It is intended to provide an oligonucleotide and a drug to thereby solve problems occurring in existing oligonucleotides, for example, being unstable because of being opened at both ends, and showing toxicity caused by phosphorothioate when modified with phosphorothioate (S-modification) to elevate the stability to digesting enzymes. More specifically speaking, a staple type oligonucleotide and a drug containing the same as the active ingredient. More particularly, a transcriptional factor inhibitor, an antisense oligonucleotide or an siRNA, in greater detail, a drug for preventing, treating or improving inflammation, autoimmune diseases, central diseases, reperfusion injury in ischemic diseases, worsened prognosis after organ transplantation or organ operation or restenosis after PTCA. Still specifically speaking, a drug for preventing, treating or improving arthritis, dermatitis, nephritis, hepatitis, renal failure, cystitis, prostatitis, urethritis, ulcerative colitis, Crohn's disease, rheumatoid arthritis or arthritis deformans, atopic dermatitis, contact dermatitis, prosoriasis, skin ulcer or bed sore.

(57) **要約:** 本発明は、従来型のオリゴヌクレオチドは両端が開放になっているために不安定であること、ホスホロチオエート化(S化)修飾により分解酵素に対する安定性高めることも行われているがホスホロチオエートに起因する毒性が生じることなどの問題点を改善したオリゴヌクレオチドと医薬を提供する。詳しくは、ステイプル型オリゴヌクレオチドおよびそれを有効成分とする医薬。具体的には転写因子阻害剤、アンチセンスオリゴヌクレオチドまたはsiRNAであり、より具体的には炎症、自己免疫疾患、中枢性疾患、虚血性疾患の再灌流障害、臓器移植又は臓器の手術後の予後の悪化またはPTCA後の再狭窄の予防・治療・改善剤であり、さらに具体的には関節炎、皮膚炎、腎炎、肝炎、腎不全、膀胱炎、前立腺炎、尿道炎、潰瘍性大腸炎またはクローン病、慢性関節リウマチまたは変形性関節症、アトピー性皮膚炎、接触性皮膚炎、乾癬、皮膚潰瘍または褥瘡の予防・治療・改善剤である。

WO 2005/030960 A1

Best Available Copy